



UNIVERSIDADE FEDERAL DO RIO DE JANEIRO
CENTRO DE CIÊNCIAS DA SAÚDE
INSTITUTO DE ESTUDOS EM SAÚDE COLETIVA

TAÍS DE SÁ OLIVEIRA ALBUQUERQUE DIAS

**A JUDICIALIZAÇÃO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA:
O exemplo do componente especializado para o tratamento da doença de Gaucher**

Rio de Janeiro

2018

TAÍS DE SÁ OLIVEIRA ALBUQUERQUE DIAS

A JUDICIALIZAÇÃO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA:
O exemplo do componente especializado para o tratamento da doença de Gaucher

Monografia apresentada ao Instituto de Estudos em Saúde Coletiva da Universidade Federal do Rio de Janeiro, como parte dos requisitos necessários à obtenção do grau de Bacharel em Saúde Coletiva.

Orientadora: Prof^ª. Dr^ª. Maria de Lourdes Tavares Cavalcanti

Rio de Janeiro

2018

FOLHA DE APROVAÇÃO

TAÍS DE SÁ OLIVEIRA ALBUQUERQUE DIAS

A JUDICIALIZAÇÃO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA:

O exemplo do componente especializado para o tratamento da doença de Gaucher

Monografia apresentada ao Instituto de Estudos em Saúde Coletiva da Universidade Federal do Rio de Janeiro, como parte dos requisitos necessários à obtenção do grau de Bacharel em Saúde Coletiva.

Aprovado em: 12 de novembro de 2018.

Prof^ª. Dr^ª. Maria de Lourdes Tavares Cavalcanti (Orientadora)
IESC/UFRJ

Prof^ª. Dr^ª. Pauline Lorena Kale
IESC/UFRJ

Prof. Dr. Gabriel Eduardo Schütz
IESC/UFRJ

Dedico esta monografia à minha família e a todos os graduandos e
graduados em Saúde Coletiva do Brasil.

AGRADECIMENTOS

Sem dúvida alguma, o trabalho de conclusão de curso (TCC) ao longo de toda a graduação, foi o momento mais temido por mim. Mesmo sabendo de todas as dificuldades que o curso em si poderia me trazer, o TCC eu já sabia que seria meu maior desafio.

E, por ter conseguido concluí-lo a tempo de me tornar Bacharel em Saúde Coletiva, agradeço a muitas pessoas que amenizaram as dificuldades para mim neste processo.

Primeiramente, agradeço a Deus pelo dom da vida, pela saúde e por me permitir realizar os sonhos que Ele pôs em meu coração. Em todos os momentos, não só durante a caminhada acadêmica, mas ao decorrer de toda a minha vida e na vida da minha família, Deus sempre foi meu amigo fiel e tudo que tenho dou graças a Ele.

Agradeço à minha família pelo apoio e por sempre torcerem pela minha felicidade.

Agradeço ao meu marido, Marcos Vinicius Albuquerque Dias Oliveira, meu marido e melhor amigo, pelo carinho, companheirismo, força e incentivo não só durante a faculdade, mas em tudo que faço. Por nunca ter desistido de mim, por todas as conquistas que tenho e pelas que virão, pela sua garra e coragem mesmo em momentos difíceis da vida. Sem ele, certamente eu nunca teria conseguido alcançar meus objetivos.

Agradeço às minhas amigas de graduação veteranas e colegas de turma, pois foram as responsáveis pela minha adaptação no curso, fazendo com que esse processo se tornasse mais fácil e empolgante.

Agradeço ao IESC, por ter me proporcionado o amadurecimento necessário para que eu enfrentasse as dificuldades da graduação e por despertar em mim o desejo de ser uma excelente sanitarista; e também agradeço a todos os funcionários de todos os setores, que sempre me trataram bem em todas as dependências do Instituto.

Agradeço à Direção e Coordenação do IESC, por apoiarem os alunos de graduação e estarem dispostos em ouvir nossas sugestões para melhorias do curso. Agradeço ao Marcelo e Malena da secretaria de graduação, ao Roberto da biblioteca, Geraldo e Diego do departamento de T.I e ao Valdemir, vulgo dentinho, da xérox, por toda ajuda e suporte que me deram ao longo de toda a graduação.

Agradeço a todo o corpo docente do IESC, a todos os professores que tive oportunidade de conhecer e que me deram aula durante esses anos. Permitir ao aluno a construção do conhecimento acerca de todas as áreas que permeiam a saúde coletiva não é uma tarefa fácil, portanto, meu muitíssimo obrigado.

Aos demais graduandos e graduados em Saúde Coletiva, também são alvo dos meus agradecimentos. Desejo sucesso a todos, pois ser aluno da quarta turma de Saúde Coletiva da UFRJ não foi tarefa fácil, e mesmo sendo poucos, estamos conseguindo alcançar nossas metas. Deus seja louvado pela vida de todos!

*Quando tudo parecer dar errado em sua vida,
lembre-se que o avião decola contra o vento, e
não a favor dele.*

Henry Ford

RESUMO

DIAS, Taís de Sá Oliveira Albuquerque. **A judicialização da assistência farmacêutica: o exemplo do componente especializado para o tratamento da doença de Gaucher.** Monografia (Graduação em Saúde Coletiva) - Instituto de Estudos em Saúde Coletiva, Universidade Federal do Rio de Janeiro, Rio de Janeiro, 2018.

De acordo com o Ministério Público Federal (MPF), medicamentos de alto custo, ou órfãos, são conceituados na terminologia da Política Nacional de Medicamentos (item 7 da Portaria nº 3.916 / 1998), como os utilizados em doenças raras, cuja dispensação atende a casos específicos. A doença de Gaucher (DG) tipo I foi a primeira doença genética a ser contemplada pelo tratamento com terapia de reposição enzimática (TRE), que consiste na aplicação periódica da enzima alfa-taliglicerase semelhante àquela que o paciente não produz em quantidade suficiente (betagluco cerebrosidase). Muitos pacientes buscam o acesso a esses medicamentos por meio de ações judiciais, desde que têm sido defendidos pelo Sistema Único de Saúde desde abril de 2014 e utilizados apenas em hospitais especializados. **OBJETIVO:** Apresentar e discutir as dificuldades em obter fármacos de alto custo, especialmente para o tratamento da DG, a partir de um estudo de revisão bibliográfica entre 2005 e 2018. **MÉTODOS:** O estudo utilizou uma abordagem de revisão bibliográfica integrativa para o levantamento da produção científica disponível e a reconstrução de redes de pensamento sobre a judicialização da assistência farmacêutica, com foco na DG. **RESULTADOS E DISCUSSÃO:** Os dados obtidos indicam que o tratamento com TRE tem um impacto significativo nos pacientes com DG. No entanto, fica claro que a judicialização da demanda não é suficiente para que o paciente tenha acesso imediato a um direito garantido por lei, necessitando de uma melhoria pelo Estado no acesso a esses medicamentos e na qualidade da assistência farmacêutica. **CONCLUSÃO:** Garantir o acesso do Estado aos medicamentos representa uma importante estratégia para a redução da morbimortalidade relacionada à doença. O acesso não pode se restringir à disponibilidade de medicamentos, pois para garantir que seu uso seja realizado de forma racional e segura, é necessário desenvolver uma série de ações articuladas, todas atualmente denominadas Assistência Farmacêutica.

Palavras-chave: Doença de Gaucher. Alfa-taliglicerase. Imiglucerase. Assistência Farmacêutica (AF). Componente Especializado de Assistência Farmacêutica (CEAF). Medicamentos de alto custo. Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). Medicamentos. Decisões judiciais. Judicialização da Assistência Farmacêutica.

ABSTRACT

DIAS, Taís de Sá Oliveira Albuquerque. **The judicialization of pharmaceutical assistance: the example of the specialized component for the treatment of Gaucher's disease.** Monography (Graduation in Collective Health) - Institute of Collective Health Studies, Federal University of Rio de Janeiro, Rio de Janeiro, 2018.

According to the Federal Public Prosecutor's Office (MPF), high-cost drugs, or orphans, are conceptualized in the terminology of the National Medicines Policy (item 7 of Ordinance No. 3.916 / 1998), such as those used in rare diseases, whose dispensation caters to specific cases. Gaucher disease (DG) type I was the first genetic disease to be contemplated by treatment with enzyme replacement therapy which consists of the periodic application of the alpha-taliglycerase enzyme similar to that which the patient does not produce in sufficient quantity (betaglucoerebrosidase). Many patients seek access to these drugs through lawsuits, since they have been defended by the Unified Health System since April 2014 and used only in specialized hospitals. **OBJECTIVE:** To present and discuss the difficulties to obtain high cost drugs, especially for the treatment of the DG, from a bibliographic review study between 2005 and 2018. **METHODS:** The study used an approach of integrative bibliographic review for the survey of available scientific production and the reconstruction of thought networks regarding the judicialization of pharmaceutical assistance, focusing on DG. **RESULTS AND DISCUSSION:** Data obtained indicate that treatment with TER has a significant impact on patients with DG. However, it is clear that the judicialization of the demand is not sufficient for the patient to have immediate access to a right guaranteed by law, necessitating an improvement by the State in access to these drugs and in the quality of pharmaceutical care. **CONCLUSION:** Ensuring State access to medicines represents an important strategy for the reduction of morbimortality related to the disease. Access can not be restricted to the availability of medicines, because to ensure that their use is carried out rationally and safely, it is necessary to develop a series of articulated actions, all currently called Pharmaceutical Assistance.

Keywords: Gaucher disease. Alpha-taliglycerase. Imiglucerase. Pharmaceutical Assistance (FA). Specialized Component of Pharmaceutical Assistance (CEAF). High cost medications. Clinical Protocols and Therapeutic Guidelines (PCDT). Medications. Judicial decisions. Judicialization of Pharmaceutical Assistance.

LISTA DE TABELAS

Tabela 1 - Universo de mandados judiciais para fornecimento de medicamentos, contra o Estado do Rio de Janeiro, Brasil, por ano de início da ação	17
Tabela 2 - Classificação da Doença de Gaucher	37
Tabela 3 - Doenças Lisossômicas contemplada por Terapia de Reposição Enzimática: Medicamentos disponibilizados ou em fase de desenvolvimento	41

LISTA DE QUADROS

Quadro 1 - Categorias de Análise.....	21
Quadro 2 - Principais Normas legais que tratam da Assistência Farmacêutica no Brasil.....	26

LISTA DE GRÁFICOS

Gráfico 1 - Evolução do número de ações e de gastos com judicialização de medicamentos essenciais contra a União (2005-2009).....	33
Gráfico 2 - Evolução dos gastos com judicialização de medicamentos essenciais contra a União (Jan 2009 a Ago2010).....	33

LISTA DE FIGURAS

Figura 1 - Fluxo para Fornecimento de Medicamentos.....	36
---	----

LISTA DE ABREVIATURAS E SIGLAS

AF - Assistência Farmacêutica

ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

CEAF - Componente Especializado da Assistência Farmacêutica

CID - Classificação Internacional de Doenças e Problemas Relacionados à Saúde

CNS - Conselho Nacional de Saúde

CONITEC - Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS

DDL - Doença de Depósito Lisossomal

DG - Doença de Gaucher

MPF - Ministério Público Federal

MS - Ministério da Saúde

PCDT-DG - Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Doença de Gaucher

PNAF - Política Nacional de Assistência Farmacêutica

PNM - Política Nacional de Medicamentos

RAS - Redes de Atenção à Saúde

RENAME - Relação Nacional de Medicamentos Essenciais

SAS - Secretaria de Assistência a Saúde

SUS - Sistema Único de Saúde

TRE - Terapia de Reposição Enzimática

UNESCO - Organização das Nações Unidas para a Educação, Ciência e Cultura

SUMÁRIO

APRESENTAÇÃO	15
1 INTRODUÇÃO	16
2 JUSTIFICATIVA	18
3 OBJETIVOS	19
3.1 OBJETIVO GERAL.....	19
3.2 OBJETIVOS ESPECÍFICOS.....	19
4 METODOLOGIA.....	20
5 RESULTADOS E DISCUSSÃO	21
5.1 ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA	24
5.1.1 Assistência Farmacêutica e o Direito à Saúde no Brasil	24
5.1.2 Política de Assistência Farmacêutica	28
5.1.3 Componente Básico	29
5.1.4 Componente Estratégico	29
5.1.5 Componente Especializado	30
5.1.6 Participação da Comunidade	31
5.2 JUDICIALIZAÇÃO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA	32
5.2.1 O Papel e o Comportamento dos Poderes da União.....	34
5.3 DOENÇA DE GAUCHER.....	37
5.3.1 Classificação Clínica.....	38
5.3.2 Manifestações Clínicas	38
5.3.3 Dados Epidemiológicos	38
5.3.4 Diagnóstico	38
5.3.5 Tratamento.....	39
5.3.6 Alfa-Taliglucerase.....	40
6 CONSIDERAÇÕES FINAIS.....	42
REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS	44

APRESENTAÇÃO

No período de vigência do Programa de Iniciação Científica (PINC) e a partir de leituras e fichamentos realizados a respeito do tema judicialização de medicamentos de alto custo observou-se que as demandas judiciais a esse respeito eram cada vez mais frequentes apresentando um número de processos maior quando comparados aos processos dos anos noventa. A partir dos estudos houve um maior interesse em conhecer o tema a fundo e entendê-lo na sua totalidade.

Originalmente, se propôs, com este trabalho de conclusão de curso, estudar os impasses diante da necessidade do acesso ao tratamento da doença de Gaucher, por meio de um estudo exploratório junto ao centro de referência para o tratamento da DG no Rio de Janeiro. No entanto, o processo para obtenção de autorização para realizar o estudo se mostrou mais complexo e demorado que o esperado, sendo necessário redimensionar o escopo do estudo. Foi realizado então, um estudo de revisão bibliográfica integrativa sobre a judicialização da assistência farmacêutica, com foco no acesso aos medicamentos de alto custo para o tratamento da DG, com o intuito de contribuir para o debate no meio acadêmico e profissional a partir dos resultados obtidos e das discussões levantadas neste trabalho.

1 INTRODUÇÃO

Segundo o Ministério Público Federal (MPF), os medicamentos de alto custo, ou órfãos, são conceituados na terminologia da Política Nacional de Medicamentos (item 7 da Portaria MS nº 3.916/1998), como aqueles utilizados em doenças raras, geralmente de custo elevado, cuja dispensação atende a casos específicos.

A Doença de Gaucher (DG) é uma doença autossômica recessiva, do grupo das doenças lisossômicas de depósito. É causada pela deficiência da enzima glicocerebrosidase, que auxilia no metabolismo de lipídeos, e resulta no acúmulo de glicocerebrosídeos nos macrófagos, afetando órgãos e tecidos do corpo. Dentre as doenças de depósito lisossomal (DDL), a Doença de Gaucher é a única com protocolo clínico e diretrizes de tratamento indicados pelo Ministério da Saúde (CONITEC, 2014).

A doença de Gaucher tipo I foi a primeira doença genética a ser contemplada para o tratamento de reposição enzimática (TRE), uma modalidade de tratamento de alto custo que consiste na aplicação periódica de uma enzima artificial chamada alfataglicerase, semelhante àquela que o paciente não produz em quantidade suficiente (betaglicocerebrosidase).

Existe uma lista de medicamentos excepcionais do Ministério da Saúde e nesta lista estão incluídos os medicamentos imiglucerase indicado para pacientes pediátricos e alfataglicerase escolha para o tratamento de pacientes adultos que fazem parte do TRE. No entanto, muitos pacientes ainda estão em busca do acesso a estes medicamentos através de ações judiciais, uma vez que são preconizados pelo Sistema Único de Saúde desde abril de 2014 e utilizados apenas em Hospitais especializados (CONITEC, 2014).

Em 2002, o Ministério da Saúde (MS), junto à Secretaria de Assistência à Saúde (SAS), tornou públicos a Portaria Nacional e o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Doença de Gaucher (PCDT-DG), norteando o tratamento e formalizando outros Centros de Referência (Portaria SAS nº 449, 2002). Tal programa foi pioneiro, sendo o único até os dias atuais, que contempla a TRE no Sistema Único de Saúde (SUS).

A Doença de Gaucher (DG) é a mais comum dentre as DDL, com uma incidência aproximada, na população geral, de 1: 40.000 nascidos vivos (MEIKLE, 2007). Segundo dados do Ministério da Saúde, existem no Brasil 551 pacientes cadastrados no programa de tratamento para DG (Portaria nº 1.266 do MS, 2014).

Dados mais recentes, embora não publicados oficialmente, mostram que atualmente são mais de 700 pacientes no Brasil com DG, destes, cerca de 500 pacientes encontram-se em

TRE. No Rio de Janeiro, existem 85 pacientes cadastrados, dentre eles 79 recebem TRE (BRASIL, 2018a).

A tabela 1 apresenta o número de mandados judiciais para obtenção de medicamentos junto ao Estado do Rio de Janeiro, de 1991 a 2002.

Para melhor delimitar o problema, cabe observar como o mundo acadêmico e político tem se comportado referente às doenças raras.

Tabela 1 - Universo de mandados judiciais para fornecimento de medicamentos, contra o Estado do Rio de Janeiro, Brasil, por ano de início da ação

Ano de Início (estratos)	Total de Ações
1991	1
1995	4
1996	88
1997	314
1998	79
1999	85
2000	345
2001	713
2002	1.144

Fonte: Elaboração própria a partir da referência: MESSEDER; OSORIO-DE-CASTRO; LUIZA, 2005.

2 JUSTIFICATIVA

A evidência de que se trata de um tema importante e de interesse surge na afirmação da Organização das Nações Unidas para a Educação, Ciência e Cultura (UNESCO) de que os países devem estimular “pesquisa para a identificação, prevenção e tratamento de doenças causadas ou influenciadas por fatores genéticos, particularmente as doenças raras [...]” (UNESCO, 1999, p. 9).

O SUS utiliza estratégias para garantir a efetividade do tratamento medicamentoso e a superação das barreiras existentes com relação ao acesso aos mesmos. No entanto, ainda existem essas barreiras, e portanto, também devem existir estudos que elucidem os impasses diante do necessário compromisso existente entre SUS e usuário.

Frente a esse contexto, identificou-se a necessidade de estudar o tema e descrever a magnitude do direito à saúde a fim de estudar os limites da responsabilidade do Estado na promoção e garantia desse direito, além de contribuir para discussões relativas ao aumento de demandas judiciais para acesso ao tratamento da doença de Gaucher.

Além disso, ao buscar informações sobre o tema nas plataformas bibliográficas, não foram encontradas publicações em grande quantidade provenientes do município do Rio de Janeiro e em âmbito nacional, o que nos permite frisar que, os estudos sobre acesso ao tratamento da doença de Gaucher são de relevância acadêmica. Pretende-se com este trabalho, contribuir para a discussão a respeito da judicialização do direito à saúde no âmbito do SUS, com relação à assistência farmacêutica.

3 OBJETIVOS

3.1 OBJETIVO GERAL

Avaliar as dificuldades para obtenção de medicamentos de alto custo, em especial para tratamento da DG, com ênfase na judicialização do direito à saúde no âmbito do SUS, com relação à assistência farmacêutica.

3.2 OBJETIVOS ESPECÍFICOS

- Realizar uma revisão bibliográfica sobre a judicialização do direito à saúde no âmbito do SUS, com relação à assistência farmacêutica no período de 2005 a 2018 para identificação das dificuldades para obtenção de medicamentos de alto custo, em especial para tratamento da DG;
- Identificar nos artigos selecionados a menção aos direitos humanos quanto à aquisição de medicamentos de alto custo para tratamento de doenças raras, em especial a DG.

4 METODOLOGIA

Foi realizada uma revisão bibliográfica integrativa para o levantamento da produção científica disponível e para a reconstrução de redes de pensamentos a respeito da judicialização da assistência farmacêutica, com foco na DG.

O período de abrangência desta revisão bibliográfica foi de 2005 ao ano de 2018, uma vez que a partir de 2005 houve aumento dos gastos com judicialização, sendo, portanto, o critério utilizado para este levantamento. A coleta de informações extraída de buscas bibliográficas foi atualizada entre Junho e Agosto de 2018. As bases de dados consultadas foram: Periódicos Capes, MedLINE, PubMed e Scielo, a partir das expressões “Judicialização da saúde”, “doença de Gaucher”, “componente especializado”, “judicialização da assistência farmacêutica”, “direito sanitário”, de forma isolada ou cruzada.

Foram utilizados 31 artigos dos quais somente 4 se referem às ações judiciais que pleiteiam medicamentos para portadores de doenças raras. No decorrer da leitura e análise dos artigos, buscou-se elucidar questionamentos como quais os impactos que a dificuldade de acesso ao tratamento de alto custo traz para os cidadãos.

Para o capítulo dedicado a assistência farmacêutica e o direito à saúde no Brasil, foram encontrados 11 artigos dos quais 4 são atinentes a legislação relativa ao direito à saúde em geral e à saúde dos portadores da doença de Gaucher, em especial o acesso gratuito a medicamentos.

No que diz respeito à doença de Gaucher foram selecionados 5 que traziam dados conceituais, clínicos e epidemiológicos sobre a Doença de Gaucher, a partir dos quais foram analisados os delineamentos quanto aos tipos de tratamento e a partir desta análise e do relacionamento entre as informações contidas nos artigos, algumas considerações sobre o tema em questão foram emitidas.

5 RESULTADOS E DISCUSSÃO

Os dados obtidos, embora limitados pela escassez de publicações a respeito da doença de Gaucher, corroboram a relevância do estudo da judicialização do acesso a medicamentos essenciais como a alfataglicerose para o tratamento da doença de Gaucher.

Ao final das etapas de seleção bibliográfica, 13 artigos foram incorporados a esta monografia. A análise do conteúdo destes artigos permitiu a identificação de alguns pontos importantes que estão sintetizados no quadro 5, apresentado a seguir de acordo com 3 categorias: Assistência Farmacêutica (categoria 1), Judicialização (categoria 2) e doença de Gaucher (categoria 3).

Quadro 1 - Categorias de Análise

CATEGORIA 1- ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA			
ARTIGO/AUTOR	PERIÓDICO/ANO/ABRANGÊNCIA	DESCRIPTORIOS/ TIPO DE ESTUDO	RESULTADO
Essencialidade e assistência farmacêutica: considerações sobre o acesso a medicamentos mediante ações judiciais no Brasil Sant'Ana, J. M. B. et al.	Rev Panam Salud Publica/ MEDLINEPubMed 2011/BRASIL.	Medicamentos essenciais; assistência farmacêutica; política nacional de medicamentos; legislação em saúde política nacional de assistência farmacêutica; Brasil. Revisão Bibliográfica	Ambos, gestores da saúde e operadores da justiça, têm contribuído para a intensificação do fenômeno da judicialização da assistência farmacêutica e para as distorções dele advindas. Por um lado, os gestores da saúde têm falhado em garantir o acesso satisfatório da população aos medicamentos, inclusive àqueles selecionados como prioritários, não aumentando os recursos financeiros para esse setor. Por outro, o judiciário muitas vezes desconsidera a importância das políticas do setor saúde, dentre elas a farmacêutica, enquanto instrumentos racionais e legítimos para a alocação de recursos nesse âmbito.
Garantia do direito social à assistência farmacêutica no Estado de São Paulo Marques,S. B. et al	Revista de saúde publica/SciELO/ 2007/ Brasil.	Serviços de assistência farmacêutica, legislação e jurisprudência. Legislação sanitária. Poder Judiciário. Controle de medicamentos e entorpecentes. Equidade no acesso/Pesquisa	O Poder Judiciário ignora que os direitos foram instituídos, de forma ampla e atrelada à elaboração de políticas sociais e econômicas. Suas decisões têm como base a afirmação do direito à saúde e à assistência farmacêutica como direitos integrais e universais dos cidadãos

		qualitativa	brasileiros.
Assistência farmacêutica como um modelo tecnológico em atenção primária à saúde. Araújo, A. L. A. et al.	Rev. Ciênc. Farm. Básica e Aplicada/2005/SAO PAULO	Tecnologias em saúde, assistência/ Revisão bibliográfica farmacêutica, atenção farmacêutica	A tecnologia de uso do medicamento necessita de aprimoramentos que possibilitem a avaliação de seu impacto na qualidade de vida do usuário e na redução de custos para o sistema de saúde.
Assistência farmacêutica integrada ao processo de cuidado em saúde: gestão clínica do medicamento. Correr CJ, et al.	Rev Pan-Amaz Saude/ 2011/ Parana, BRASIL.	Atenção à Saúde; Assistência Farmacêutica; Uso Racional de Medicamentos /Revisão bibliográfica	Infer-se que a eficiente gestão técnica da assistência farmacêutica e a eficiente gestão clínica do medicamento contribuem para a promoção do uso racional de medicamentos, proporcionando melhorias na Atenção Primária à Saúde e de todo o Sistema Único de Saúde – SUS.
CATEGORIA 2- JUDICIALIZAÇÃO			
A judicialização da saúde e os novos desafios da gestão da assistência farmacêutica Pepe, V. L. A. et al.	Ciência & Saúde Coletiva/ 2010/ BRASIL.	Judicialização da saúde, Direito à saúde, Assistência farmacêutica, Medicamentos, SUS /Revisão bibliográfica	A efetivação do direito à saúde só se realizará se no momento da tomada de decisão forem adotadas medidas, tanto por parte da gestão da Assistência Farmacêutica como do Poder Judiciário, que certifiquem a segurança e a proteção dos usuários.
Judicialização da política pública de assistência farmacêutica e equidade Ana Luiza Chieffi, A. L. et al	Caderno de saúde pública/ sciELO/ 2009/Brasil.	Decisões Judiciais; Assistência Farmacêutica; Medicamentos; Direito à Saúde Estudo descritivo	População atendida por demandas judiciais residem em áreas com baixa ou sem nenhuma vulnerabilidade social, reforçando ainda mais as desigualdades sociais no campo da saúde, uma vez que, a interpretação dos direitos sociais apenas na dimensão individual, desconsidera a dimensão coletiva, desconsiderando o problema em todas suas dimensões e todas as suas complexidades.
Medicamentos de alto custo para doenças raras no Brasil: o exemplo das doenças lisossômicas Souza, M. V. et al.	Ciencia e saude coletiva/MedilinePubM ed/ 2010/ Brasil.	Doenças raras, Doenças lisossômicas, Medicamentos de alto custo, Políticas de Saúde /Revisão de literatura	Novas tecnologias que ainda não fazem parte da RENAME, mas que já se encontram no mercado ainda não tem processos de avaliação estabelecido para agregar aspectos técnicos e éticos e que sejam capazes de distinguir o benefício terapêutico real desses medicamentos.

Mandados judiciais como ferramenta para garantia do acesso a medicamentos no setor público: a experiência do Estado do Rio de Janeiro, Brasil Messeder, A. M. et al	Cadernos de saúde publica/ scielo/ 2005/ BRASIL.	Medicamentos; Defensoria Pública; Assistência Farmacêutica /Estudo seccional	Resultados sugerem demora no julgamento das ações, sendo a maioria conduzida pela defensoria pública para usuários do SUS. Os medicamentos mais solicitados foram os de ação sobre os sistemas nervoso e cardiovascular, muitos de uso contínuo. Notou-se a oficialização de práticas prescritivas, com a inclusão de medicamentos frequentemente solicitados nas listas de financiamento público, dificultando adesão ao uso racional de medicamentos. Medicamentos da competência de fornecimento dos municípios são solicitados ao Estado, que, por sua vez, falha no repasse.
CATEGORIA 3- DOENÇA DE GAUCHER			
Doença de Gaucher como diagnóstico diferencial de esplenomegalia Soares, T. C. M. et al.	Revista de Pediatria SOPERJ/ 2016/MINAS GERAIS.	Esfingolipidoses; doença de Gaucher; esplenomegalia. Relato de caso	Apesar de a doença de Gaucher ser uma condição infrequente, apresenta um quadro clínico muito semelhante ao de doenças de elevada prevalência, necessitando de um diagnóstico precoce e específico, com acompanhamento multidisciplinar, para obter o controle clínico adequado e consequente menor morbidade.
Avaliação de dois anos de tratamento da doença de Gaucher tipo 1 com terapia de reposição enzimática em pacientes do estado de São Paulo, Brasil Sobreira, E.A.P. et al.	Rev. bras. de hematologia e hemoterapia/2008/ São Paulo, Brasil	Doença de Gaucher; glicosilceramida; imiglucerase; alglucerase; eficácia do tratamento. /Estudo qualitativo e quantitativo	São diversos os fatores que podem interferir na resposta à Terapia de Reposição Enzimática na doença de Gaucher do tipo 1. Este estudo mostrou melhora na maioria dos parâmetros utilizados na avaliação dos objetivos terapêuticos propostos pela comunidade científica internacional
Sinais e sintomas na Doença de Gaucher: diagnósticos de enfermagem prioritários Breigeiron, M. K. et al.	Rev. Bras. de Enfermagem. 2018/ SUDESTE DO BRASIL	Doença de Gaucher; Síndrome de Liposidose por Cerebrosídeos; Sinais e Sintomas; Processo de Enfermagem; Diagnóstico de	A doença de Gaucher foi mais prevalente no sexo feminino (57,1%), faixa etária ao diagnóstico entre 0 e 10 anos e proveniência da Região Sudeste do Brasil. Alterações hematológicas, dor óssea, hepatomegalia, esplenomegalia, cansaço foram os sinais e sintomas mais recorrentes.

		Enfermagem./ Estudo transversal	Os diagnósticos inferidos para a população estudada foram: Risco de sangramento; Fadiga; Dor crônica e Dor aguda; Mobilidade física prejudicada; Nutrição desequilibrada: menos do que as necessidades corporais; e Risco de Desenvolvimento atrasado.
Evolução do estado nutricional na doença de Gaucher tipo I em tratamento com reposição enzimática - relato de dois casos Coradine, A. V. P. et al.	Rev. Bras. Saúde Matern. Infantil/2015/ Recife, Brasil.	Doença de Gaucher, Estado nutricional, Consumo alimentar, Peso corporal	Os dois pacientes apresentavam aumento de massa de gordura durante o tratamento, sendo que um paciente também apresentou aumento da massa livre de gordura. O consumo energético e a relação de macronutrientes mantiveram-se semelhantes durante todo o período de acompanhamento para ambos os pacientes.
Doença de Gaucher: Levantamento Epidemiológico no Distrito Federal Urcino, T. S. et al.	XIII International Conference on Engineering and Technology Education/2014/ PORTUGAL.	metabolismo; enzima; glicocerebrosídeos ; levantamento epidemiológico /Revisão bibliográfica	Nesta pesquisa a doença de Gaucher foi mais prevalente entre as pessoas de cor parda, fato que pode estar relacionado com a grande miscigenação da população e devido à cor parda ser a de maior predominância. O medicamento mais utilizado para o tratamento, foi o Imiglucerase, o que pode ser justificado por este medicamento ser o mais indicado inicialmente para o tratamento desta doença.

Fonte: Elaboração própria.

5.1 ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA

Foram abordados temas relacionados ao direito à saúde, à organização da assistência farmacêutica visando à integralidade da assistência terapêutica e a descrição da judicialização da assistência farmacêutica.

5.1.1 Assistência Farmacêutica e o Direito à Saúde no Brasil

Como parte integrante do direito social, está o direito à assistência farmacêutica, fundamentado pelos artigos 6 e 7 da Lei Orgânica da Saúde.

“Art. 6º Estão incluídas ainda no campo de atuação do Sistema Único de Saúde (SUS):

I - a execução de ações:

d) de assistência terapêutica integral, inclusive farmacêutica

Art. 7º As ações e serviços públicos de saúde e os serviços privados contratados ou conveniados que integram o Sistema Único de Saúde (SUS), são desenvolvidos de acordo com as diretrizes previstas no art. 198 da Constituição Federal, obedecendo ainda aos seguintes princípios:

II - integralidade de assistência, entendida como conjunto articulado e contínuo das ações e serviços preventivos e curativos, individuais e coletivos, exigidos para cada caso em todos os níveis de complexidade do sistema”. (Brasil, lei 8.080 de 19/09/1990)

Portanto as políticas e serviços públicos se fazem necessários para que o Estado atenda esses preceitos legais em escala coletiva.

As políticas públicas, nesse contexto, são elaboradas na esfera executiva do poder público, e sob uma perspectiva coletiva e distributiva cria critérios para incluir e excluir medicamentos dentre aqueles que são ofertados pelo Sistema Único de Saúde (SUS). Esses critérios são juridicamente formalizados pelos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) instituídos pelo Ministério da Saúde.

Quando o SUS foi criado, era previsto o direito do cidadão à assistência farmacêutica, mas somente anos depois esse direito foi regulamentado, com a publicação da Política Nacional de Medicamentos (PNM) em 1998. Esta contém os princípios e as diretrizes do SUS e objetiva a garantia da eficácia e segurança no uso racional de medicamentos e o acesso da população aos medicamentos essenciais.

A Política Nacional de Assistência Farmacêutica (PNAF) surge em 2004, aprovada pelo Conselho Nacional de Saúde (CNS) e suas diretrizes se baseiam nas doutrinas do SUS e num conceito abrangente de assistência farmacêutica. A PNAF envolve um conjunto de ações voltadas à promoção e recuperação da saúde, garantindo os princípios da universalidade, integralidade e equidade. Com base nessas doutrinas o SUS vem fornecendo medicamentos à população. O Quadro 1 apresenta a legislação que ampara o acesso aos medicamentos e a organização da assistência farmacêutica no Sistema Único de Saúde.

Quadro 2 - Principais Normas legais que tratam da Assistência Farmacêutica no Brasil

TÍTULO	NÚMERO	DATA	EMENTA	ORIGEM
Constituição Federal	-	5/out/1988	-	Assembleia Nacional Constituinte
Lei Federal	8.080	19/set/1990	Dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências	Poder Legislativo Federal
Portaria	3.916	10/nov/1998	Aprova a Política Nacional de Medicamentos	Poder Executivo (Ministro da Saúde)
Resolução	338	6/maio/2004	Aprova a Política Nacional de Assistência Farmacêutica	Poder Executivo (Conselho Nacional de Saúde)
Portaria	204	29/jan/2007	Regulamenta o financiamento e transferência dos recursos federais para ações e os serviços de saúde, na forma de blocos de financiamento, com o respectivo monitoramento e controle	Poder Executivo (Ministro da Saúde)
Portaria	1.044	5/maio/2010	Aprova a sétima edição da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (Rename)	Poder Executivo (Ministro da Saúde)
Portaria	1.554	30/jul/2013	Dispõe sobre as regras de financiamento e execução do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).	Poder Executivo (Ministro da Saúde)

Fonte: Elaboração própria a partir da referência: SANT'ANA *et al.*, 2011.

Após a Constituição a questão do direito à Saúde no ordenamento jurídico brasileiro deu abertura para tutela jurisdicional e originou o aumento das demandas judiciais em busca

desses direitos. Tal fenômeno tem se expressado pela crescente demanda judicial, fenômeno conhecido como judicialização da Assistência Farmacêutica.

Assistência Farmacêutica é um conjunto de ações voltadas à promoção, proteção, recuperação da saúde, garantindo os princípios da universalidade, integralidade e equidade, regulamentada pela Resolução Nº 338 de maio de 2004, do Conselho Nacional de Saúde.

O quadro 1, supracitado, resume as principais normas legais relativas à assistência farmacêutica no Brasil, e dentre elas está a política nacional de medicamentos (PNM) de 1998, que foi formulada com a finalidade precípua de garantir o acesso da população aos medicamentos considerados essenciais. Duas das diretrizes e prioridades da PNM são a reorientação da assistência farmacêutica e a adoção da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (Rename). Tais diretrizes foram posteriormente reafirmadas pela política nacional de assistência farmacêutica (PNAF) de 2004.

A adoção da Rename é um dos eixos estratégicos neste sentido, uma vez que ela é também um instrumento racionalizador das ações no âmbito da assistência farmacêutica, nos três níveis de complexidade, desde a atenção básica até o nível terciário (SANT'ANA *et al.*, 2011).

A construção do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) publicada em novembro de 2009 através da Portaria GM/MS nº 2.981/2009, e revogada pela Portaria GM/MS nº 1.554/2013, foi motivada pela necessidade de ampliar a cobertura de medicamentos já padronizados e a necessidade de incorporar medicamentos para ajustar as linhas de cuidado de pacientes já tratados.

Os medicamentos inseridos no CEAF são indicados, na maioria das vezes, para doenças crônicas, possuem características próprias e, também, exigências específicas para que os usuários possam ter acesso.

O CEAF tem como proposta garantir o tratamento integral de todas as doenças contempladas no respectivo Componente, desde o nível primário de atenção, até medicamentos mais complexos do ponto de vista farmacêutico e da própria indicação terapêutica e que exige, geralmente, um acompanhamento intensivo por profissionais da área da saúde.

Para que o tratamento fosse atendido corretamente, o Ministério da Saúde (MS) elaborou os Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT), atualmente seguidos pelos médicos e outros profissionais da área da saúde, durante o acompanhamento do paciente.

Os PCDT são ferramentas capazes de caracterizar as linhas de cuidado para as diversas possibilidades de tratamento medicamentoso, contemplando as diferentes fases evolutivas das doenças tratadas.

Os medicamentos contemplados pelo CEAF são liberados pelo gestor estadual, somente se o paciente apresentar a doença e os critérios descritos no Protocolo. A estruturação da Assistência Farmacêutica é um dos grandes desafios que se apresenta aos gestores e profissionais do SUS. Para garantir a integralidade da atenção, o acesso às ações desenvolvidas nessa área não devem se limitar apenas à aquisição e distribuição de medicamentos, exigindo, para a sua implementação, a elaboração de planos, programas e atividades específicas, de acordo com as competências estabelecidas para cada esfera de governo.

Destaca-se aqui, portanto, a necessidade de promover ações estruturantes da assistência farmacêutica para a execução das ações e serviços de saúde fundamentados nos princípios da universalidade, integralidade e equidade.

5.1.2 Política de Assistência Farmacêutica

Durante muitos anos, a organização e a estruturação da Assistência Farmacêutica, nos diferentes níveis de atenção tem-se dado, principalmente, a partir de um ciclo logístico do medicamento, que abrange todas as etapas inerentes ao seu gerenciamento: seleção, programação, aquisição, armazenamento, distribuição e dispensação (ARAÚJO; UETA; FREITAS, 2005; MARIN *et al.*, 2003).

Segundo a Política Nacional de Assistência Farmacêutica, o uso racional de medicamentos consiste em receber o medicamento apropriado para suas necessidades clínicas, nas doses individualmente requeridas para um adequado período de tempo, por intermédio de ações que disciplinem a prescrição e a dispensação, que são considerados eixos estratégicos da Política Nacional de Assistência Farmacêutica. (BRASIL, 2004, p. 1). Apesar das grandes referências do modelo de AF vigente, as atuais políticas têm se mostrado ineficientes na obtenção de resultados satisfatórios em relação ao uso racional de medicamentos, com ações ainda desarticuladas do processo de cuidado em saúde (CORRER; OTUKI; SOLER, 2011).

A Assistência Farmacêutica (AF) ainda é considerada pelos gestores como sendo um sistema de apoio às redes de atenção à saúde (RAS), e não algo que faça parte diretamente da gestão da clínica (MENDES, 2012). Entretanto, para a atenção primária, as ações de

assistência farmacêutica restritas à aquisição e à distribuição de medicamentos não dão conta de responder à necessidade de atenção integral (ARAÚJO; UETA; FREITAS, 2005).

Em alguns municípios a estruturação da AF prevista no Pacto pela Saúde tem apresentado aos gestores os benefícios dos serviços farmacêuticos. Segundo Araújo e colaboradores (2008) é possível notar que a Assistência Farmacêutica vem se qualificando e melhorando no serviço público, principalmente no que diz respeito ao atendimento humanizado, no envolvimento do profissional farmacêutico com usuários e equipes, e na participação e envolvimento deste profissional em ações de cuidado e promoção da saúde.

No que tange à Política de Assistência Farmacêutica, ela está organizada em três componentes: o Básico, o Estratégico e o Especializado.

5.1.3 Componente Básico

O componente básico é regulamentado pela portaria nº 4.217, de 28 de dezembro de 2010, a qual aprovou as normas de execução e financiamento da Assistência Farmacêutica na atenção básica em saúde. Neste componente, está estabelecida a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais, que abrange produtos destinados ao tratamento dos principais problemas de saúde da população, em relação à sua demanda epidemiológica (BRASIL, 2018a).

O financiamento deste bloco é tripartite e os recursos devem ser aplicados na compra de medicamentos essenciais, inclusive fitoterápicos e homeopáticos. E até 15% do valor aplicado por estados e municípios pode ser investido na estruturação das farmácias do SUS ou qualificação dos serviços.

O montante federal é repassado diretamente aos municípios, mensalmente em parcelas de um doze avos, pelo Fundo Nacional de Saúde.

A contrapartida estadual é realizada por meio de recursos financeiros, ou através do fornecimento de medicamentos básicos. Cabe aos municípios o financiamento próprio para administração dos recursos, a organização dos serviços e a dispensação destes medicamentos para os usuários (BRASIL, 2018a).

5.1.4 Componente Estratégico

Seu objetivo é a disponibilização de medicamentos utilizados para tratamento das doenças de perfil endêmico e que tenham impacto socioeconômico. Está ligado a programas de saúde coordenados nacionalmente pelo Ministério da Saúde. Fazem parte deste

componente os medicamentos do Programa de DST/AIDS, para o controle de tuberculose, hanseníase, tabagismo, malária e outras endemias focais, bem como os imunobiológicos e insumos das coagulopatias e hemoderivados.

Compete ao Ministério da Saúde a elaboração e divulgação dos protocolos de tratamento, a aquisição centralizada e a distribuição aos estados. Os últimos, de acordo com sua programação, irão repassar aos municípios que dispensam à população (BRASIL, 2018a).

5.1.5 Componente Especializado

É regulamentado por meio da portaria GM/MS nº 2.981, de 26 de novembro de 2009, e substitui o antigo Componente de Medicamentos de Dispensação Excepcional a partir de 2006, com o Pacto pela Saúde (Portaria MS/GM nº 399, de 22 de fevereiro de 2006) e o Pacto pela Vida e de Gestão (Portaria MS/GM nº 699, de 30 de março de 2006), quando a Assistência Farmacêutica ganha importância e passa a constituir um bloco de financiamento específico.

O componente especializado busca garantir a integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) (BRASIL, 2010).

Os medicamentos que constituem as linhas de cuidado para as doenças contempladas neste componente estão divididos em três grupos com características, responsabilidades e formas de organização diferentes.

O grupo 1 tem o financiamento de responsabilidade exclusiva da união e é constituído por medicamentos indicados para doenças mais complexas.

O grupo 2 é formado por medicamentos cuja responsabilidade pelo financiamento é dos Estados. As esferas estaduais são encarregadas também de formular e implementar um sistema logístico, envolvendo as etapas de seleção, programação, aquisição, armazenamento, distribuição, dispensação e promoção do uso racional dos medicamentos de dispensação excepcional. A elaboração desta lista também é importante para a melhoria da qualidade da assistência farmacêutica, uma vez que a incorporação de medicamentos tem buscado seguir, o que tem se preconizado internacionalmente, a Medicina Baseada em Evidências (MBE).

Sua existência facilita a gestão da assistência farmacêutica, a uniformização de procedimentos terapêuticos e de monitoramento do tratamento, com minimização dos riscos à saúde dos pacientes e, conseqüentemente, melhoria das condições de saúde.

O grupo 3 é constituído por medicamentos cujo financiamento é tripartite e sua aquisição e dispensação é de responsabilidade dos municípios (BRASIL, 2018a).

O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) é composto por 150 fármacos em 310 apresentações farmacêuticas. E atende a 289 patologias, segundo Classificação Estatística Internacional de Doenças e Problemas Relacionados à Saúde (CID-10) (MARÇAL, 2012). A definição e a regulamentação do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica são de responsabilidade do Ministério da Saúde (MS). Assim, o elenco de medicamentos é formulado pela esfera federal podendo, a partir desta, ser modificado por cada estado, segundo sua complexidade assistencial.

Uma parte dos medicamentos deste componente são também chamados de alto custo e são, geralmente, caros demais para a população arcar com o tratamento de longo prazo, seja porque seu valor unitário é alto, seja porque, apesar de valor unitário baixo, o tratamento torna-se custoso por ser prolongado.

Eles podem ser destinados ao tratamento de doenças raras ou de baixa prevalência, tais como a doença de Gaucher, e também para doenças de alta prevalência, como asma grave e transtorno depressivo.

5.1.6 Participação da Comunidade

O Ministério da Saúde, por meio da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (CONITEC), estimula a participação da sociedade no processo de avaliação de tecnologias em saúde que antecede a incorporação, exclusão ou alteração de medicamentos, produtos e procedimentos utilizados no SUS. Todas as recomendações da Conitec são submetidas à consulta pública pelo prazo de 20 dias.

Após analisar as contribuições, a Comissão emite a recomendação final, que pode ser a favor ou contra a incorporação/exclusão/alteração da tecnologia analisada. Essa proposta é então encaminhada à Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, que decide sobre quais medicamentos, produtos e procedimentos serão disponibilizados no SUS.

5.2 JUDICIALIZAÇÃO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA

No Brasil, para que muitos pacientes com doenças raras consigam tratamento especializado é preciso enfrentar os diversos impasses que estão associados ao déficit na porta de entrada para a assistência para as doenças raras que a saúde pública oferece.

Dados do Ministério da Saúde mostram que existem diversos protocolos clínicos para doenças raras no âmbito do SUS, e são esses protocolos que fazem com que os pacientes tenham acesso ao tratamento de acordo com critérios de inclusão e exclusão (BRASIL, 2012).

Existem, para tais doenças raras, medicamentos especializados já registrados na ANVISA (Agência Nacional de Vigilância Sanitária) e comercializados no país, mas que muitas vezes não estão disponíveis no SUS. Deste modo se faz necessário que o paciente recorra então à Justiça para obter o tratamento.

Vale ressaltar que o papel do judiciário é importante na efetivação do direito à saúde, e tem um efeito positivo ao responsabilizar o poder executivo quando este falha na prestação da assistência farmacêutica (BORGES; UGÁ, 2010).

Existe, portanto um impasse sobre a assistência Farmacêutica no SUS, a quem deve ser garantida a assistência terapêutica e o que ela compreende. A grande dificuldade é definir o que cabe e o que não cabe, no direito à saúde.

Diante deste contexto, foram adotados os seguintes pressupostos teóricos como problemas:

a) A judicialização é reflexo dos problemas na implementação da política de assistência farmacêutica;

b) O poder judiciário tem desconsiderado a organização do Sistema Único de Saúde.

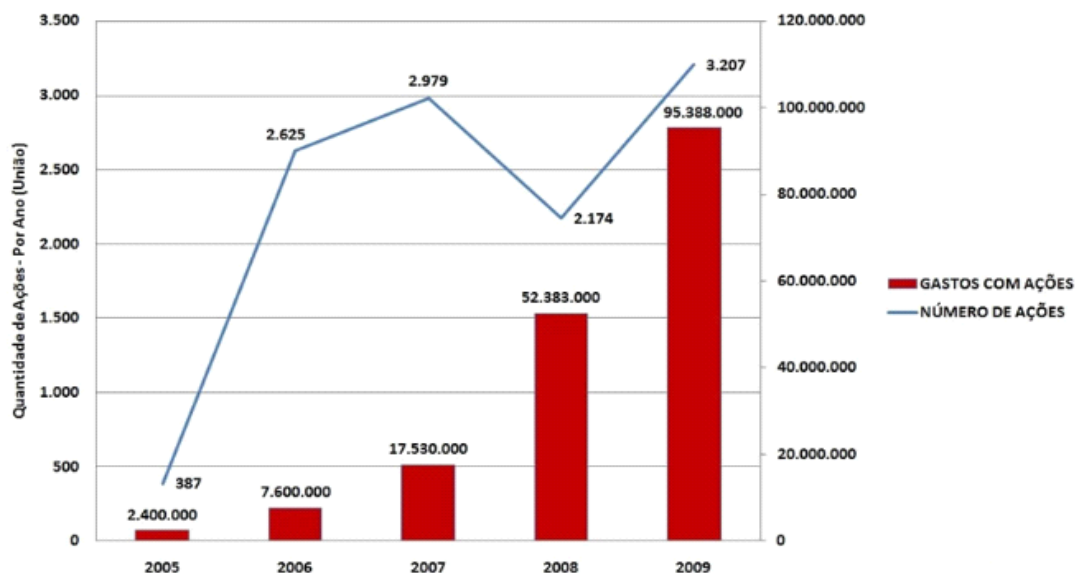
O fenômeno da judicialização, na esfera da saúde e da assistência farmacêuticas, em especial, teve sua origem no não cumprimento do direito à saúde, e somado a isso, a lentidão na efetivação dos direitos sociais (GANDINI; BARIONE; SOUZA, 2010).

É consenso que o uso da via judicial para o fornecimento de medicamentos é uma forma legítima de garantir o pleno exercício do direito à assistência individual terapêutica, que integra o direito à saúde na lei brasileira; e de acordo com a literatura, o número de ações judiciais contra o Estado nos últimos anos vem crescendo exponencialmente desde a década de noventa.

Dentre essa demanda a que mais havia crescido era para tratamento de pessoas com HIV/AIDS. No entanto essa estatística vem mudando no decorrer dos anos, passando a ser

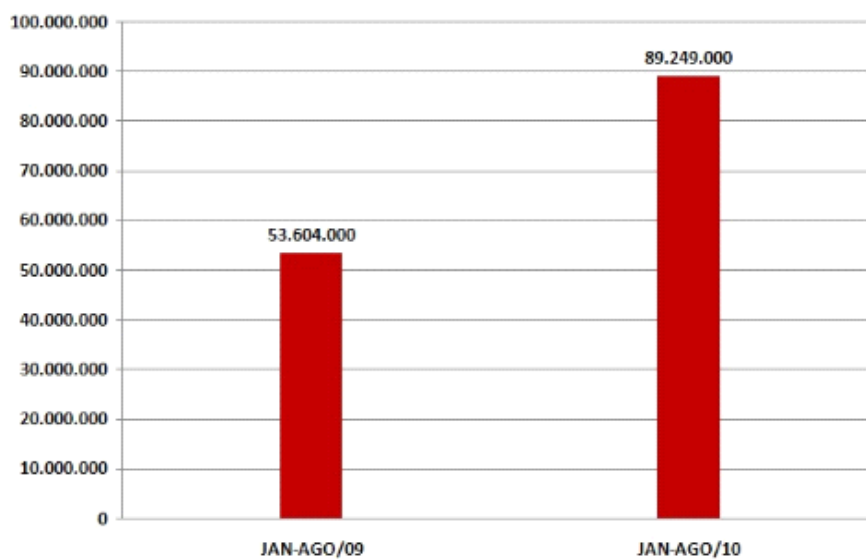
judicializados os medicamentos para outras condições patológicas predominantes (PEPE *et al.*, 2010).

Gráfico 1 - Evolução do número de ações e de gastos com judicialização de medicamentos essenciais contra a União (2005-2009)



Fonte: Secretaria de Ciências, Tecnologia e insumos estratégicos - Ministério da Saúde.

Gráfico 2 - Evolução dos gastos com judicialização de medicamentos essenciais contra a União (Jan 2009 a Ago2010)



Fonte: Secretaria de Ciências, Tecnologia e insumos estratégicos- Ministério da Saúde.

Estes gráficos evidenciam valores financeiros gastos pelos entes federativos por força de determinações judiciais que reconhecem a urgência dos casos de saúde e, principalmente, os direitos garantidos constitucionalmente. Esses valores vêm aumentando de forma considerável. Nos gráficos, percebe-se claramente a tendência de aumento da quantidade de ações e, conseqüentemente, dos valores gastos pela União a partir do ano de 2005.

Os dados apresentados referem-se unicamente às ações em que os gastos saíram dos cofres federais. São informações controladas e cedidas pela Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde.

Ao serem comparados os números de 2008 e 2009, houve aumento de 82% nos valores desembolsados. Outra comparação, mais atualizada a ser vista, são os gastos da União no período de janeiro a agosto de 2010 em relação ao mesmo período de 2009. Neste mesmo período, houve aumento de 67% nos valores da União para cumprimento dos mandados judiciais.

Acredita-se que esse percentual possa estar relacionado ao fato de ainda existir pouco investimento, seja pela indústria farmacêutica em pesquisa de medicamentos, o que torna os existentes caríssimos, ou a demora da incorporação e até mesmo ausência desses poucos fármacos no SUS, o que impede a distribuição gratuita, tornando a situação, muitas vezes, fatal.

Uma possível melhoria neste quadro se dá na implantação com maior eficácia da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, prevista na Portaria 199/2014 do Ministério da Saúde.

5.2.1 O Papel e o Comportamento dos Poderes da União

Os poderes da União são definidos pela carta magna como legislativo, executivo e judiciário com a finalidade de promover a imparcialidade do sistema onde se atribui a cada um funções diferenciadas. Deste modo, o poder legislativo cria leis, o poder executivo administra a estrutura do Estado e o poder judiciário produz decisões aplicando a lei em casos concretos (KEINERT, 2009).

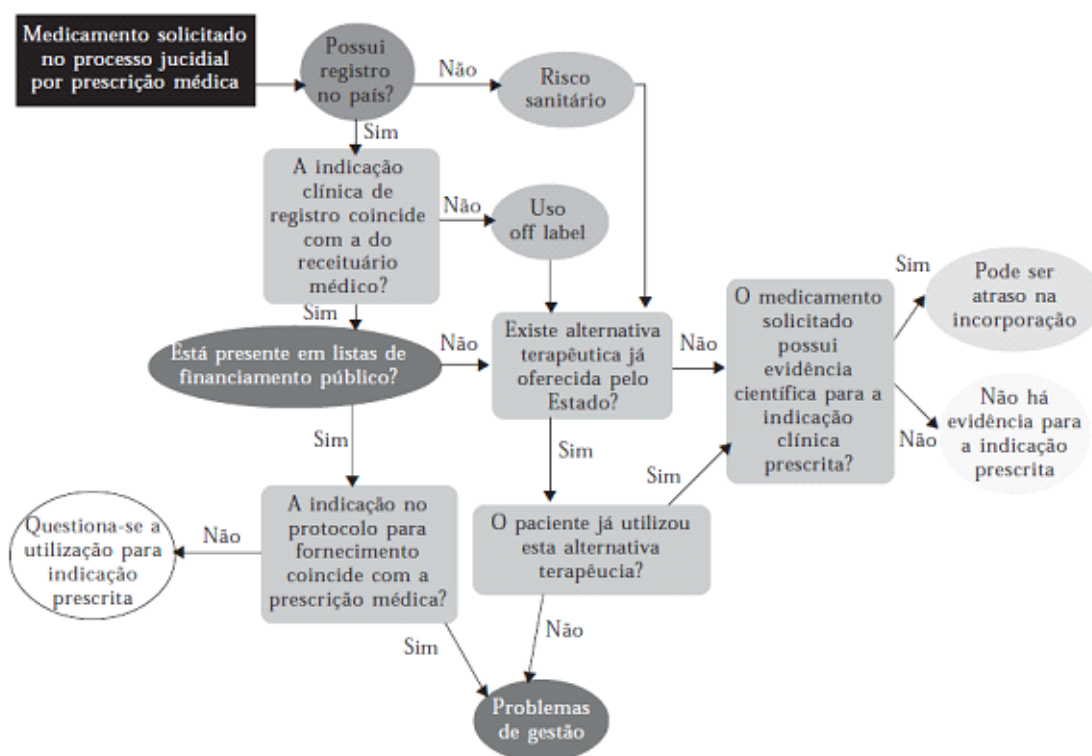
Quando existir a omissão do Executivo ou Legislativo na garantia de um direito social o poder judiciário tem o dever de fazer com que este direito seja alcançado. Esta interferência de um poder nos outros visa harmonizar o sistema constitucional (KEINERT, 2009).

Portanto, quando a administração pública se omitir em garantir um direito fundamental o interessado deve recorrer ao poder judiciário para ver aplicada sua eficácia. O

argumento de escassez de recursos não justifica a omissão o não cumprimento do dever de efetivar os direitos fundamentais (KEINERT, 2009).

Para auxiliar a tomada de decisão frente à judicialização, Figueiredo (2010) propõe um fluxo no qual considera que devem ser fornecidos os medicamentos que possuam melhores evidências disponíveis sobre eficácia e segurança.

Figura 1 - Fluxo para Fornecimento de Medicamentos



Fonte: FIGUEIREDO, 2010.

Primeiramente deve-se verificar se o medicamento prescrito possui registro sanitário no país. Caso negativo deve-se questionar a segurança sanitária deste medicamento e seguir a análise buscando alternativa terapêutica disponível e segura, que garanta o direito a um tratamento adequado da saúde.

Quando há registro sanitário, deve-se verificar se a indicação terapêutica da prescrição é a mesma para qual o medicamento foi registrado, evitando-se o uso *off label*.

Se confirmado que o medicamento pleiteado possui registro sanitário e não se trata de prescrição *off label*, isto é, sem aprovação da Anvisa para o uso prescrito, deve-se analisar sua presença em listas de financiamento público. Verifica-se ainda se a indicação da prescrição é a mesma prevista nos PCDT. Não coincidindo as indicações terapêuticas, existem duas possibilidades, há atraso de incorporação aos protocolos ou existem evidências que justifiquem a não incorporação.

Nas prescrições que contêm medicamentos que não fazem parte de lista pública oficial, também é necessário verificar a existência ou uso anterior com insucesso, de alguma alternativa terapêutica de financiamento público. Se existe alguma alternativa terapêutica ainda não utilizada, é importante sugeri-la (FIGUEIREDO, 2010).

5.3 DOENÇA DE GAUCHER

A doença de Gaucher é a mais comum das esfingolipidoses e tem uma prevalência mundial de aproximadamente 30.000 indivíduos afetados, com uma baixa taxa de diagnóstico, resultando em cerca de 7.000 pacientes em todo o mundo. É uma doença genética e hereditária que causa alterações no fígado e no baço (BRASIL, 2014).

O paciente com esta patologia geralmente fica com os ossos enfraquecidos e manchas na pele. Frequentemente sente cansaço, fraqueza, diarreia e sangramento nasal. A diversidade dos sinais e sintomas torna o diagnóstico de Gaucher difícil, pois podem confundir a análise clínica. (SANTIAGO *et al.*, 2012).

A DG é uma doença multissistêmica e suas manifestações clínicas possuem grandes variações. Pode se manifestar em lesões ósseas, acometimento pulmonar, hepatoesplenomegalia, anemia e envolvimento do sistema nervoso central sendo classificada em três tipos de acordo com a tabela 2.

Os pacientes com doença de Gaucher tipo I são mais comuns e os pacientes com o tipo II têm uma expectativa de vida muito curta e morrem ainda na primeira infância, geralmente antes dos três anos de idade. O comprometimento neurológico inclui regressão neurológica e convulsões (BECK, 2007).

Tabela 2 - Classificação da Doença de Gaucher

Tipo	Forma	Característica
Esfingolipidose não Neuropática Tipo 1	Crônica	Hepatoesplenomegalia; anemia, plaquetopenia; ausência de comprometimento neurológico
Esfingolipidose Neuropática Aguda Tipo 2	Infantil	Manifestações clínicas muito precoces; comprometimento neurológico importante
Esfingolipidose Neuropática Subaguda Tipo 3	Juvenil	Semelhança ao tipo 2

Fonte: BREIGEIRON; MORAES; COELHO, 2018.

5.3.1 Classificação Clínica

Classificação Estatística Internacional de Doenças e Problemas Relacionados à Saúde- (CID-10)

De acordo com o CID-10 a doença de Gaucher se enquadra no item E75.2 definido por outras esfingolipidoses.

E75.2: Outras esfingolipidoses- doença de Gaucher.

5.3.2 Manifestações Clínicas

A doença de Gaucher se caracteriza por um dissemelhança clínica onde uns pacientes possuem sintomas mais intensos e outros apresentam poucos sintomas.

O sintoma mais comum é a esplenomegalia, onde a massa esplênica encontra-se elevada, 0,2% do peso corporal. Apresentam também hepatomegalia, onde o volume do fígado encontra-se superior a 2.5% do peso corporal. Estes eventos são comuns e podem estar associados à distensão do abdômen, assim como podem ser assintomáticos (PASTORES *et al.*, 2004).

Algumas alterações hematológicas, como o acúmulo de células de Gaucher na medula óssea, anemia, hematoma, neutropenia, coagulopatia, tendência a sangramento, pancitopenia e trombocitopenia também são encontradas.

Apesar de existirem manifestações pulmonares, apenas 1-2% dos portadores da doença de Gaucher as apresentam (PASTORES *et al.*, 2004).

5.3.3 Dados Epidemiológicos

Considerada de baixa incidência mundial, a incidência da doença de Gaucher (DG) é de 1 para cada grupo de 40.000 a 60.000 nascidos vivos na população geral, sendo o tipo I o mais comum, presente em 95% dos casos (CORADINE; PIANOVSKI, 2015).

5.3.4 Diagnóstico

No Brasil, existem aproximadamente 551 pacientes diagnosticados com a DG e que recebem tratamento do Ministério da Saúde (LINS *et al.*, 2008).

A análise da redução da atividade enzimática da β -glicocerebrosidase em sangue periférico que costuma estar entre 5 a 10% da sua atividade normal é considerada o

diagnóstico padrão-ouro. Nos pacientes com DG tipo 1 os níveis dessa enzima se encontram abaixo do normal.

Trata-se de um exame de realização fácil e pouco invasivo, mas não impede o diagnóstico tardio devido a falta de suspeita por parte dos médicos (FERREIRA *et al.*, 2011).

A quantificação da quitotriosidase, uma enzima plasmática, também é um método auxiliar bastante utilizado nesse diagnóstico. Se o nível desta enzima estiver elevado pode-se considerar uma doença lisossômica.

Hoje o diagnóstico precoce é menos complicado e existem alguns centros de referência para o tratamento das doenças raras, são apenas sete centros no país todo, cuja proposta é garantir tratamento multiprofissional e multidisciplinar, para prover atendimento correto e melhorar a qualidade de vida dos afetados. Portanto o SUS deve dar acesso necessário a diagnóstico, mas também à terapêutica, pois não adianta detectar e não tratar.

5.3.5 Tratamento

A doença de Gaucher é tratada por terapia de reposição enzimática (TRE), uma enzima artificial que se assemelha a enzima que o portador da doença deveria produzir, essa terapia possui alto custo. Essa terapia possibilita a diminuição do acúmulo do substrato glicocerebrosídeo nas células, melhorando a qualidade de vida, uma vez que esse substrato se converte em seu produto conhecido como lactosilceramida.

A TRE é considerada a terapia mais segura e antiga e consiste no uso da enzima recombinante beta-glicocerebrosidase duas vezes ao mês, isto é, quinzenalmente.

Existiam outras formas de tratamento antes da aprovação da terapia de reposição enzimática em 1991, chamados tratamentos paliativos. Esses tratamentos incluíam aconselhamento genético e até mesmo tratamento cirúrgico da esplenomegalia, que era realizado para amenizar os sintomas que a distensão do abdômen trazia. No entanto, posteriormente com a introdução da TRE, na década de 90 viu-se uma possibilidade de melhoria da qualidade de vida que incluía a reversão de alguns sintomas da DG, passando então a ser o tratamento padrão (SOBREIRA; BRUNIERA, 2008).

Em 2002, o primeiro protocolo de tratamento para DG foi publicado, determinando através de critérios clínicos pré-estabelecidos quais seriam os pacientes que estariam aptos a receber a única terapia medicamentosa disponível, a enzima recombinante (Imiglucerase), medicação que já estava incluída no rol de medicamentos excepcionais do SUS (Portaria SAS nº 449, 2002).

A Reposição se dava pela administração da glicosilceramidase exógena que era extraída da placenta humana, chamada alglucerase. Apesar disso, a mesma foi substituída pela forma recombinante, chamada imiglucerase, pois surtia melhores efeitos sobre as manifestações da doença. Em 2003 passou a ser indicada como opção terapêutica para o tratamento da DG tipo 1 a terapia de reposição de substrato com miglustate, uma opção via oral que inibia a síntese e diminuía o acúmulo do substrato intracelular.

Frente a esse contexto, o miglustat foi aprovado em 2009 pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e veio para pacientes com restrições ao uso da TRE e com manifestações moderadas, sem risco de complicações ósseas. Já em 2010, também houve mais uma liberação por parte da ANVISA, desta vez para a alfa taliglucerase, uma alternativa ao suprimento das demandas dos pacientes do SUS que cada vez cresce mais (CARVALHO, 2014).

5.3.6 Alfa-Taliglucerase

À época da crise de produção da Imiglucerase, a Alfa-Taliglucerase encontrava-se em pré-aprovação, por ainda estar em fase de estudo expandido. Seu fabricante recebeu uma pré-licença para uso até maio de 2012. Entretanto, tal droga começou a ser utilizada por pacientes em todo o mundo, inclusive no Brasil e foi incluída no PCDT para a DG, no caso da falta das outras drogas autorizadas, como ocorreu com a imiglucerase.

Sua queda de produção e fornecimento da Imiglucerase prejudicou mundialmente o tratamento da doença, ocasionando temor aos usuários. Médicos que acompanhavam pacientes com DG depararam-se com uma situação inédita e delicada, e a falta de opção terapêutica segura forçou a prescrição de uma droga ainda sem aprovação, além da redução das doses de drogas conhecidas e já utilizadas em pacientes estáveis, priorizando pacientes mais vulneráveis como crianças e gestantes. Alguns especialistas alegaram ferir princípios éticos de pesquisas com seres humanos, gerando um embate entre médicos, pacientes e governo. Contudo, em maio de 2013, a Alfa-Taliglicerase foi aprovada pela ANVISA e esta aprovação por agências regulatórias gerou maior tranquilidade dentre os médicos, responsáveis por prescrever a medicação, já que era utilizada na prática médica ainda em fase experimental.

A Alfa-Taliglicerase (UPLYSO, Pfizer-Protalix Biotherapeutics), é produzida por células vegetais de cenoura. A agência regulatória norteamericana aprovou sua

utilização oficialmente após haver dados suficientes para sua liberação, que comprovassem sua eficácia.

Não existe ainda consenso na literatura acerca da idade ideal para o início da TRE nem sua indicação formal para todos os pacientes (SCHWARTZ *et al.*, 2008), devendo seu uso ser analisado, caso a caso, por profissionais experientes e em centros especializados.

O tratamento com a terapia de reposição enzimática, neste sentido, mostra-se fundamental para a melhoria da qualidade de vida dos pacientes com DG, tendo impacto positivo e significativo. No entanto, é evidente que a judicialização da demanda não é suficiente para que o paciente tenha acesso imediato a um direito garantido por lei, fazendo-se necessário uma melhoria por parte do Estado no acesso a esses medicamentos e na qualidade da assistência farmacêutica (AF).

Tabela 3 - Doenças Lisossômicas contemplada por Terapia de Reposição Enzimática: Medicamentos disponibilizados ou em fase de desenvolvimento

Doença-alvo	Nome do Medicamento	Fase de Desenvolvimento	Aprovado pelo FDA*?	Aprovado pelo EMA*?	Registro ANVISA*?	Dose	Pré-medicação **
Doença de Gaucher	Imiglucerase	Pós-comercialização	SIM	SIM	SIM	10-60 U/kg cada 15	NÃO
	Velaglucerase	Pós-comercialização	SIM	SIM	SIM	60 U/kg cada 15	NÃO
	Taliglicerase alfa	Fase III/IV	NÃO	NÃO	SIM	-	-

*FDA: Food and Drug Administration; EMA: European Medicines Agency; ANVISA: Agência Nacional de Vigilância Sanitária

Fonte: ANVISA: Agência Nacional de Vigilância Sanitária com dados atualizados em março de 2011.

6 CONSIDERAÇÕES FINAIS

Alguns fatores são essenciais para a redução do fenômeno judicialização da assistência farmacêutica, tais como, por exemplo, a estruturação adequada do sistema público de saúde, garantindo acesso regular aos medicamentos por ele indicados. Para tanto, torna-se necessário a atualização das listas de medicamentos e dos protocolos de tratamento e a expansão da cobertura por meio da criação, no sistema de saúde, de espaços dedicados à consideração técnica dos casos não previstos nas mesmas listas e protocolos.

No que diz respeito ao judiciário, contribuiria muito se houvesse uma regulamentação administrativa vigente mais valorizada, de modo que ao determinar o fornecimento de medicamento financiado pelo setor público, fosse também determinado o acompanhamento do usuário, colaborando para garantir o efetivo acesso à saúde e à justiça, bem como promover o uso racional dos medicamentos e evitar possíveis fraudes ou má aplicação de recursos públicos. Desta maneira estaria sendo fortalecida a gestão da assistência farmacêutica, favorecendo o acesso equitativo aos medicamentos sem comprometer os princípios do SUS.

No que diz respeito à doença de Gaucher, apesar de rara, o reconhecimento desta o mais cedo possível deve ser estimulado tendo em vista as possibilidades de ofertar melhores cuidados para o paciente e a provisão de aconselhamento genético como oportunidade única para o planejamento familiar.

Os cuidados envolvem não somente o tratamento sintomático, mas também tornam possível oferecer terapias específicas como a terapia de reposição enzimática que têm mostrado efeito positivo em algumas manifestações clínicas podendo intervir de forma positiva na história natural desta doença.

Neste momento, o papel do pediatra é fundamental, pois é este profissional o grande receptor destes pacientes e necessita se manter alerta para os sinais e sintomas clínicos que permitem o diagnóstico precoce.

Além de pesquisas e informações sobre essa doença esses profissionais carecem de treinamento e capacitação, o que compromete ou retarda o diagnóstico e, muitas vezes, o próprio sistema de saúde não oferece meios para que seja realizado a tempo.

Além dos médicos, cabe também aos gestores da saúde e operadores da justiça contribuir para a diminuição do fenômeno da judicialização da assistência farmacêutica garantindo o acesso satisfatório da população aos medicamentos através do aumento dos

recursos financeiros para esse setor e ao judiciário, por sua vez, cabe considerar a importância das políticas do setor saúde, dentre elas a farmacêutica, enquanto instrumento para a alocação de recursos nesse âmbito.

Desse modo não parece haver outro caminho senão o da aproximação dos dois setores, além do entendimento e do reconhecimento mútuo de suas insuficiências, limitações e responsabilidades.

REFERÊNCIAS

ARAÚJO, A. L. A. *et al.* Perfil da assistência farmacêutica na atenção primária do Sistema Único de Saúde. **Ciência & Saúde Coletiva**, v. 13, supl., p. 611-617, 2008.

ARAÚJO, A. L. A.; UETA, J. M.; FREITAS, O. Assistência farmacêutica como um modelo tecnológico em atenção primária à saúde. **Revista Ciências Farmacêuticas Básica e Aplicada**, v. 26, n. 2, p. 87-92, 2005.

BORGES, D. C. L.; UGÁ, M. A. D. Conflitos e impasses da judicialização na obtenção de medicamentos: as decisões de 1º instância nas ações individuais contra o Rio de Janeiro, Brasil, 2005. **Cadernos de Saúde Pública**, Rio de Janeiro, v. 26, n. 1, p. 59-69, jan. 2010.

BRASIL. Conselho Nacional de Secretários de Saúde (CONASS). **Assistência farmacêutica no SUS**. Brasília: CONASS, 2011. (Coleção Para Entender a Gestão do SUS, v. 7).

BRASIL. [Constituição (1988)]. **Constituição da República Federativa do Brasil**. Brasília, DF: Senado Federal, 1988.

BRASIL. Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990. Dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 20 set. 1990. Disponível em: <http://portal.saude.gov.br/portal/arquivos/pdf/lei8080.pdf>. Acesso em: 25 abr. 2017.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portal do Ministério da Saúde. **Medicamentos: Rename**. Brasília: Ministério da Saúde, c2018. Disponível em: <http://portalms.saude.gov.br/assistencia-farmaceutica/medicamentos-rename>. Acesso em: 23 out. 2018a.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portal do Ministério da Saúde. **Promoção da saúde**. Brasília: Ministério da Saúde, c2018. Disponível em: http://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/politica_medicamentos.pdf. Acesso em: 13 set. 2018b.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria SAS/MS nº 1.266, de 14 de novembro de 2014. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Doença de Gaucher. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 2014.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria GM/MS nº 1.554, de 30 de julho de 2013. Dispõe sobre as regras de financiamento e execução do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS). **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 2013.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 4.217, de 28 de dezembro de 2010. Aprova as normas de financiamento e execução do Componente Básico da Assistência Farmacêutica. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 2010. (Revogada).

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 2.981, de 26 de novembro de 2009. Aprova o componente especializado da assistência farmacêutica. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 2009. (Revogada).

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria MS/GM nº 399, de 22 de fevereiro de 2006. Divulga o Pacto pela Saúde 2006 – Consolidação do SUS e aprova as Diretrizes Operacionais do Referido Pacto. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 2006.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria MS/GM nº 699, de 30 de março de 2006. Regulamenta as Diretrizes Operacionais dos Pactos Pela Vida e de Gestão. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 2006.

BRASIL. Ministério da Saúde. Conselho Nacional de Saúde. Resolução nº 338, de 06 de maio de 2004. Aprova a Política Nacional de Assistência Farmacêutica. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 20 maio 2004.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 449, de 08 de julho de 2002. Aprova, na forma do Anexo desta Portaria, o Protocolo Clínico E Diretrizes Terapêuticas – Doença De Gaucher – Imiglucerase. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 2002.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 3.916, de 30 de outubro de 1998. Dispõe sobre a aprovação da Política Nacional de Medicamentos. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 1998.

BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC). **Doença de Gaucher**. [S.l.]: CONITEC, [2018]. Disponível em: <http://conitec.gov.br/images/DoencaGaucher.pdf>. Acesso em: 14 ago. 2018.

BREIGEIRON, M. K.; MORAES, V. C.; COELHO, J. C. Signs and symptoms in Gaucher Disease: priority nursing diagnoses. **Revista Brasileira de Enfermagem**, v. 71, n. 1, p.104-110, 2018.

CORADINE, A. V. P.; PIANOVSKI, M. A. D. Evolução do estado nutricional na doença de Gaucher tipo I em tratamento com reposição enzimática: relato de dois casos. **Revista Brasileira de Saúde Materno Infantil**, v. 15, n. 2, p. 231-234, 2015.

CORRER, C. J.; OTUKI, M. F.; SOLER, O. Assistência farmacêutica integrada ao processo de cuidado em saúde: gestão clínica do medicamento. **Revista Pan-Amazônica de Saúde**, v. 2, n. 3, p. 41-49, 2011.

FERREIRA, C. S. *et al.* Doença de Gaucher: uma desordem subdiagnosticada. **Revista Paulista de Pediatria**, v. 29, n. 1, p.122-125, 2011.

FIGUEIREDO, T. A. **Análise dos medicamentos fornecidos por mandado judicial na Comarca do Rio de Janeiro**: a aplicação de evidências científicas no processo de tomada de decisão. 2010. 146 f. Dissertação (Mestrado em Saúde Pública) - Escola Nacional de Saúde Pública Sérgio Arouca, Fundação Oswaldo Cruz, Rio de Janeiro, 2010.

GANDINI, J. A. D.; BARIONE, S. F.; SOUZA, A. E. A efetivação dos direitos sociais à saúde e à moradia por meio de atividade conciliadora do poder judiciário. In: SANTOS, L. (org.). **Direito da saúde no Brasil**. Campinas: Saberes, 2010. p. 65- 95.

GIUGLIANI, R. *et al.* Terapia de reposição enzimática para as mucopolissacaridoses I, II e VI: recomendações de um grupo de especialistas brasileiros. **Revista da Associação Médica Brasileira**, v. 56, n. 3, p. 257-277, 2010.

KEINERT, T. M. M. Direitos fundamentais, direito à saúde e papel do executivo, legislativo e judiciário: fundamentos de direito constitucional e administrativo. In: KEINERT, T. M. M.; PAULA, S. H. B.; BONFIM, J. R. A. (org.). **As ações judiciais no SUS e a promoção do direito à saúde**. São Paulo: Instituto de Saúde, 2009. p. 87-107.

LINS, L. D. B. *et al.* Relato de caso: estudo de pacientes com doença de Gaucher em um hospital terciário infantil de Fortaleza, Ceará. **Revista de Pediatria**, v. 9, n. 1, p. 30-37, 2008.

MARIN, N. *et al.* **Assistência Farmacêutica para gerentes municipais**. Rio de Janeiro: OPAS: OMS, 2003.

MARÇAL, K. K. S. **A judicialização da assistência farmacêutica: o caso Pernambuco em 2009 e 2010**. 2012. 130 f. Dissertação (Mestrado em Ciências) - Centro de Pesquisas Aggeu Magalhães, Fundação Oswaldo Cruz, Recife, 2012.

MEIKLE, P. J. *et al.* Prevalence of lysosomal storage disorders. **JAMA**, v. 281, n. 3, p. 249-254, 1999.

MENDES, E. V. **O cuidado das condições crônicas na atenção primária à saúde: o imperativo da consolidação da estratégia da saúde da família**. Brasília: OPAS, 2012.

MESSEDER, A. M.; OSORIO-DE-CASTRO, C. G. S.; LUIZA, V. L. Mandados judiciais como ferramenta para garantia do acesso a medicamentos no setor público: a experiência do Estado do Rio de Janeiro, Brasil. **Cadernos de Saúde Pública**, v. 21, n. 2, p. 525-534, mar./abr. 2005.

ORGANIZAÇÃO DAS NAÇÕES UNIDAS PARA A EDUCAÇÃO, CIÊNCIA E CULTURA (UNESCO). **A declaração universal sobre o genoma humano e os direitos Humanos**. [S. l.: s. n.], [1999]. Artigo 17.

PASTORES, G. M. *et al.* Therapeutic goals in the treatment of Gaucher disease. **Seminars in Hematology**, v. 41, n. 4, suppl. 5, p. 4-14, 2004.

PEPE, V. L. E *et al.* A judicialização da saúde e os novos desafios da gestão da assistência farmacêutica. Rio de Janeiro, Brasil, em 2010. **Cadernos de Saúde Pública**, v. 15, n. 5, p. 2405-2114, 2010.

SANT'ANA, J. M. B. *et al.* Essencialidade e assistência farmacêutica: considerações sobre o acesso a medicamentos mediante ações judiciais no Brasil. **Revista Panamericana de Salud Publica**, v. 29, n. 2, p.138-144, 2011.

SANTIAGO, M. V. *et al.* Doença de Gaucher como diagnóstico diferencial em hepatoesplenomegalia: relato de caso. **Revista Médica de Minas Gerais**, v. 22, supl. 1, p. S1-S116, 2012.

SCHWARTZ, I. V. *et al.* A clinical study of 77 patients with mucopolysaccharidosis type II. **Acta Paediatrica**, v. 1, suppl. 96, p. 63-70, 2017.

SOBREIRA, E. A. P.; BRUNIERA, P. Avaliação de dois anos de tratamento da doença de Gaucher tipo 1 com terapia de reposição enzimática em pacientes do estado de São Paulo, Brasil. **Revista Brasileira de Hematologia e Hemoterapia**, v. 30, n. 3, p.193-201, 2008.